Historias esperanzadoras: Leucemia

English

Exponiendo los secretos, salvando vidas

Las células madre crean vida. Pero si la cosas salen mal, también pueden amenazarla. **Theresa Blanda** lo descubrió por las malas. Afortunadamente para ella, la investigación financiada por el Instituto para la Medicina Regeneradora de California (*California Institute for Regenerative Medicine*) (CIRM, por sus siglas en inglés), la ayudó a luchar contra esta amenaza y retomar su vida.

En los primeros días del desarrollo humano, las células madre embrionarias son una tábula rasa; todavía no tienen un papel especial o definido, pero tienen potencial, el potencial de transformarse en las células que forman nuestros riñones, nuestro corazón, nuestro cerebro y todos los demás órganos y tejidos de nuestro cuerpo. Debido a esta flexibilidad, las células madre han demostrado ser una gran promesa para regenerar el tejido muerto, enfermo o lesionado, para tratar muchas enfermedades crónicas o que constituyen una amenaza para la vida.

Pero algunos estudios han sugerido un aspecto secreto y más oscuro de las células madre – las llamadas células madre cancerosas. Como sus primas embrionarias, estas células tienen la capacidad tanto para auto renovarse – dividirse y producir más copias de sí mismas – como para especializarse dentro de otros tipos de células. Muchos investigadores creen que estas pueden ser como un reservorio de cáncer, revigorizando constantemente los tumores y ayudándolos a esparcirse por todo el cuerpo. Para complicar las cosas, estas células que crecen despacio son frecuentemente inmunes a las terapias contra el cáncer, posibilitándoles sobrevivir la quimioterapia.

En el caso de Theresa Blanda, las células madre cancerosas la estaban arrastrando hacia el callejón sin salida de una enfermedad y posiblemente la muerte. En 2003, se la diagnosticó con policitemia vera (CV, por sus siglas en inglés), la cual hace que el cuerpo produzca demasiados glóbulos rojos. Como a veces sucede con los pacientes de CV, su cuerpo también comenzó a producir demasiados glóbulos blancos. Finalmente, desarrolló una enfermedad aún más grave, mielofibrosis, que es una forma de cicatrización de la médula ósea que causa hipertrofia en el bazo, dolor óseo, hinchazón de las rodillas y otros síntomas debilitantes.

“No podían siquiera respirarme encima sin causarme un moretón”, dice Theresa. “Creí que no sobreviviría”.

Sus médicos querían realizar un trasplante de médula ósea, pero estaban teniendo dificultades para encontrar el donante adecuado. “Al final, simplemente pregunté si había algún tipo de ensayo clínico que pudiera ayudarme”, dice Theresa.

Afortunadamente, había uno.

La causa originadora

En el Centro de Cáncer Moore de la Universidad de California en San Diego, la Dra. Catriona Jamieson había realizado un descubrimiento que tendría un gran impacto en la salud de Theresa. En una investigación financiada en parte por CIRM, Jamieson descubrió una mutación clave en las células madre que forman las células sanguíneas. Específicamente, una mutación en un gen llamado JAK2 se estaba transfiriendo a todo el sistema sanguíneo de Theresa, causando CV y mielofibrosis. Sin un tratamiento eficaz, su enfermedad podía avanzar hasta convertirse en una leucemia mieloidea aguda, un cáncer de sangre con bajo porcentaje de supervivencia.

“Estas células madre malignas crean un entorno inhóspito para las células madre normales, suprimiendo la formación normal de la sangre”, dice Jamieson. “Necesitábamos deshacernos de estas células madre mutadas para que las normales pudieran respirar un suspiro de alivio”.

La respuesta fue el desarrollo de un inhibidor de JAK2 que está desarrollando TargeGen, con sede central en San Diego. Aunque el ensayo ya había comenzado, hicieron lugar para Theresa y los resultados fueron asombrosos. En unas semanas, su incomodidad había desaparecido, su bazo había vuelto a la normalidad y ella pudo regresar al trabajo.

“En un mes o dos me sentía bastante bien”, dice Theresa. “Podía subir escaleras y la hinchazón en la rodilla había disminuido”.

Ella continuó con el medicamento durante cinco años, pero asuntos de seguridad forzaron la suspensión del ensayo. De cualquier modo, el trabajo continúa. Con el apoyo continuo de CIRM, Jamieson y otros están investigando nuevos inhibidores de JAK2 y otras alternativas para ayudar a los pacientes con mielofibrosis.

“Debido a la financiación de CIRM, nos ha sido posible desarrollar una cantidad de agentes que se han utilizado en ensayos clínicos”, dice Jamieson. “Eso significa que los pacientes han vivido para abrazar a sus nietos, asistir a la fiesta del centésimo cumpleaños de sus madres y vivir vidas productivas”.

Para obtener información adicional sobre la investigación de la leucemia financiada por CIRM, visite nuestra hoja informativa.

Source URL: http://www.cirm.ca.gov/our-progress/historias-esperanzadoras-leucemia